

FACTOR PROTECTOR DE CONOS DERIVADO DE BASTONES (RDCVF)

UN CENTRO DE INVESTIGACIÓN EN PARÍS SE DEDICARÁ A TRASLADAR UN TRATAMIENTO PROMETEDOR A ENSAYOS CLÍNICOS

En 2005, dos investigadores franceses, los Dres. José Sahel y Thierry Lévillard, obtuvieron el Premio Fideicomisario Anual de la Fundación Lucha contra la Ceguera de Estados Unidos por haber realizado el avance más prometedor del año: Identificar una proteína que ha demostrado un gran potencial para preservar la visión en personas afecta-

das por diversas enfermedades degenerativas de la retina. Sahel y Lévillard, junto con el Centro Hospitalario Nacional de Oftalmología Quinze-Vingts de París, forman ahora parte de un nuevo centro de investigación financiado por la Fundación que se encargará de trasladar esta prometedora proteína a ensayos clínicos.

La proteína, conocida como factor de viabilidad de conos derivado de bastones (RdCVF), está producida por los bastones, los cuales nos proporcionan la visión nocturna y periférica. Sin embargo, los investigadores han encontrado que es esencial para la supervivencia de los conos, los cuales nos proporcionan la visión central y en detalle.

Los conos son los más críticos para las tareas de la vida diaria. Una serie de estudios han demostrado que incluso si una persona ha perdido el 95% de sus conos, puede tener visión suficiente como para deambular sin asistencia. Por ello, salvar los conos es una buena estrategia para preservar visión útil, y el

RdCVF puede ser justo lo que los conos necesitan para sobrevivir a largo plazo.

Sahel y Lévillard están desarrollando una terapia génica para proporcionar un aporte sostenido de RdCVF a la retina de una persona afectada durante un tiempo largo. Si los estudios del tratamiento tienen éxito en animales, esperan iniciar un ensayo clínico en humanos en unos 3 años.

Además del trabajo sobre el RdCVF, el Proyecto de la Fundación financiará al grupo de París para el desarrollo de tecnologías e instrumentos de evaluación y seguimiento a ser utilizados en ensayos clínicos. El Dr.



Saddek Mohand-Said, también del Centro Hospitalario, dirigirá la implementación de estas herramientas para evaluar la eficacia de las terapias en los ensayos clínicos. Esta instalación es un centro líder en Europa del estudio en pacientes de nuevos tratamientos de enfermedades degenerativas de la retina.

Medir la eficacia de un tratamiento determinado va más allá de lo que una persona ve en un optotipo estándar. En el Centro de París, los oftalmólogos utilizarán herramientas sofisticadas para observar los cambios en las retinas de los pacientes en respuesta a una terapia. Además de los tests rutinarios, como son los de agudeza visual y campo visual, y las evaluaciones estándar de adaptación a la oscuridad y sensibilidad al contraste, los médicos utilizarán equipamiento innovador para obtener imágenes de la retina y medir la sensibilidad de ésta. Estos métodos de evaluación proporcionarán datos mucho más fiables, exactos y objetivos.

“Muchas personas con una enfermedad retiniana pueden tener una agudeza visual razonable, incluso cercana a una visión de 20/20, pero puede resultarles especialmente difícil ver en la oscuridad o ver objetos que no tienen justo delante de ellas”, dice el Dr. Stephen Rose, Director Jefe de Investigación de la Fundación Lucha contra la Ceguera de Estados Unidos. “Para que podamos determinar de forma precisa el beneficio de un tratamiento determinado, es esencial que dispongamos de lugares como el Centro de París donde se implementen herramientas sofisticadas de obtención de imágenes y monitorización que permitan poder observar los cambios en la retina en sí misma.

También como parte del Proyecto financiado en el Centro de París, la Dra. Christine Petit, Profesora del

College de Francia y del Instituto Pasteur, e investigadora de renombre mundial del síndrome de Usher, dirigirá las investigaciones preclínicas de los mecanismos responsables de la enfermedad en el síndrome de Usher de tipo 1. De los tres tipos de síndrome de Usher, el de tipo 1 es particularmente severo, causando una profunda deficiencia en la audición al nacer, pérdida progresiva de la visión antes de la adolescencia, y problemas de equilibrio. Petit se centrará en las etapas iniciales del proceso de la enfermedad, que afectan a la audición en el nacimiento, con el objetivo de identificar dianas de tratamientos que puedan minimizar la pérdida de visión que ocurre más tarde en la infancia.

La Fundación estableció el Centro de París, coordinado por Sahel, en base a su potencial y competencia tanto en la investigación preclínica como clínica, así como a los prometedores tratamientos que tienen ya en fase de desarrollo. “El Proyecto del Centro de París proporciona un buen equilibrio entre los recursos clínicos y preclínicos y la experiencia. Ello es fundamental para el desarrollo de tratamientos y curas, y trasladarlos a estudios en personas”, dice el Dr. Rose. “Además, el Dr. Sahel y sus colegas han realizado avances clave en el desarrollo de tratamientos, y estamos entusiasmados con la idea de ayudarles a llevarlos a la clínica y a la gente que los necesita”.

Artículo original publicado en la página web de la Foundation Fighting Blindness (USA) el 8 de enero 2008 (<http://www.blindness.org/research.asp?id=323&type=2,%203,%204,%205,%206>).

Traducido por José Martín Nieto.

